



EUROPEAN MEDICINES AGENCY
SCIENCE MEDICINES HEALTH

25 юли 2025 г.
EMA/237523/2025
EMA/H/C/005293

Отказ за издаване на разрешение за употреба на Elevidys (delandistrogene moxeparvovec)

Европейската агенция по лекарствата препоръчва отказ за издаване на разрешение за употреба на Elevidys, лекарство, предназначено за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен.

Агенцията е издала становището си на 24 юли 2025 г. Фирмата, подала заявление за разрешение, Roche Registration GmbH може да поиска преразглеждане на становището в срок от 15 дни от получаване на становището.

Какво представлява Elevidys и за какво е предназначен да се използва?

Elevidys е разработен като лекарство за лечение на мускулна дистрофия тип Дюшен — генетично заболяване, което причинява нарастваща слабост и атрофия (линеене) на мускулите.

Предназначен е бил да се използва при деца на възраст от 3 до 7 години, които могат да ходят.

Elevidys съдържа активното вещество деландистроген моксепарвовек (delandistrogene moxeparvovec) и е трябвало да се прилага под формата на еднократна инфузия (вливане) във вена.

Elevidys е определен като „лекарство сирак“ (лекарство, което се използва при редки болести) на 28 февруари 2020 г. за мускулна дистрофия тип Дюшен. Допълнителна информация за определянето на лекарството сирак можете да намерите на уебсайта на Агенцията: ema.europa.eu/en/medicines/human/orphan-designations/eu-3-20-2250.

Как действа Elevidys?

При пациентите с мускулна дистрофия тип Дюшен липсва нормалният дистрофин — протеин, който се намира предимно в скелетните мускули (мускули, използвани за движение) и в клетките на сърдечния мускул. Тъй като този протеин помага и за защита на мускулите от нараняване, когато мускулите се съкращават и отпускат, при пациенти с болестта мускулите отслабват прогресивно и в крайна сметка спират да функционират.

Активното вещество в Elevidys, деландистроген моксепарвовек (delandistrogene moxeparvovec), е произведено от вирус, който съдържа генетичен материал за производството на съкратен (по-къс) вариант на дистрофин. Лекарството е предназначено за въвеждане на генетичния материал в

Official address Domenico Scarlattilaan 6 • 1083 HS Amsterdam • The Netherlands

Address for visits and deliveries Refer to www.ema.europa.eu/how-to-find-us

Send us a question Go to www.ema.europa.eu/contact **Telephone** +31 (0)88 781 6000

An agency of the European Union



скелетните мускули и сърцето. Еднократната инфузия има за цел да позволи на пациента да произвежда съкратена форма на дистрофин и по този начин да забави прогресията на заболяването.

Какво е представила фирмата в подкрепа на своето заявление?

Фирмата е представила данни от основно проучване при 125 деца на възраст между 4 и 7 години с мускулна дистрофия тип Дюшен, които могат да ходят. Те са получили една инфузия с Elevidys или плацебо (сляпо лечение). Основната мярка за ефективност е ефектът върху двигателните способности в продължение на 12 месеца, оценен по стандартна скала, наречена North Star Ambulatory Assessment (NSAA). Скалата варира от 0 до 34, като по-високите стойности показват по-добри двигателни способности.

Какви са основните причини за отказа за издаване на разрешение за употреба?

Проучването не е показало, че Elevidys оказва въздействие върху двигателните способности след 12 месеца. Подобрения в стойностите по NSAA са наблюдавани както при пациентите, получили Elevidys, така и при тези, получили плацебо. Разликата в промяната в стойностите по NSAA между двете групи е била 0,65 по 34-точкова скала и не е била статистически значима, което означава, че може да се дължи на случайност. Освен това, въпреки че е установено, че много пациенти, лекувани с Elevidys, произвеждат по-съкратена форма на протеина дистрофин, нивата на дистрофин не могат да бъдат свързани с подобрение на двигателните способности.

Фирмата е представила и данни за подгрупа пациенти, които изглежда са отговорили по-добре на Elevidys. Въпреки това ефективността на лечението не е доказана дори в тази група.

Фирмата е подала заявление за условно разрешение за употреба. Тъй като становището на Агенцията е, че ползите от Elevidys не са доказани, тя е препоръчала да бъде отказано издаване на разрешение за употреба под условие.

Какви са последствията от отказа за пациентите, участващи в клинични изпитвания?

Фирмата е уведомила Агенцията, че няма последствия за пациентите, включени в клинични изпитвания. Към момента всички клинични изпитвания с Elevidys са временно преустановени и няма пациенти, които да се лекуват с Elevidys. Пациентите, които преди това са били лекувани с Elevidys в рамките на клинично изпитване, продължават да бъдат наблюдавани.

Ако участвате в клинично изпитване и се нуждаете от повече информация за вашето лечение, говорете с вашия лекар, провеждащ клиничното изпитване.